



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

17 marca 2026 r.
EMA/H/C/003870/II/0040

Odmowa wprowadzenia zmiany w pozwoleniu na dopuszczenie do obrotu leku Hetlioz (tasimelteon) Potwierdzenie decyzji odmownej po ponownym rozpatrzeniu opinii

Europejska Agencja Leków potwierdziła zalecenie odmowy wprowadzenia zmiany w pozwoleniu na dopuszczenie do obrotu leku Hetlioz. Zmiana dotyczyła rozszerzenia wskazań przez dodanie leczenia zaburzeń snu w porze nocnej u osób dorosłych z zespołem Smith-Magenis.

Po przeprowadzeniu ponownej oceny w dniu 16 marca 2026 r. Agencja wydała opinię. Pierwsza opinia Agencji została wydana w dniu 13 listopada 2025 r. Firmą, która złożyła wniosek o wprowadzenie zmiany w pozwoleniu na dopuszczenie leku do obrotu, jest Vanda Pharmaceuticals Netherlands B.V.

Czym jest lek Hetlioz i w jakim celu się go stosuje

Hetlioz jest lekiem stosowanym w leczeniu całkowicie niewidomych osób dorosłych cierpiących na zespół nie-24-godzinny rytmu sen-czuwanie. Zespół nie-24-godzinny rytmu sen-czuwanie to choroba, która występuje niemal wyłącznie u osób całkowicie niewidomych. Rytm snu pacjentów nie jest zsynchronizowany z rytmem dobowym i często przebiega według rytmu dłuższego niż standardowy rytm 24-godzinny. W rezultacie pacjenci zasypiają i budzą się o nietypowych porach.

Substancją czynną zawartą w leku Hetlioz jest tasimelteon.

Więcej informacji na temat wskazań do stosowania leku Hetlioz znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hetlioz.

O jaką zmianę wnioskowała firma

Firma wnioskowała o rozszerzenie stosowania leku Hetlioz przez dodanie leczenia zaburzeń snu w porze nocnej u osób dorosłych z zespołem Smith-Magenis. Zespół Smith-Magenis jest rzadką chorobą dziedziczną charakteryzującą się opóźnieniem rozwoju, problemami behawioralnymi i zaburzeniami snu. U osób z zespołem Smith-Magenis zaburzenia snu są spowodowane nieprawidłowym rytmem wytwarzania melatoniny (hormonu, który odgrywa zasadniczą rolę w koordynowaniu rytmu snu i czuwania w organizmie).

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



W dniu 22 maja 2023 r. lek Hetlioz uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu zespołu Smith-Magenis. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na stronie Agencji: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-23-2832.

Jak działa lek Hetlioz

Melatonina bierze udział w koordynowaniu rytmu snu organizmu, oddziałując na komórki w określonych obszarach mózgu i pomagając w wywoływaniu snu. Jej stężenie we krwi zazwyczaj wzrasta po zapadnięciu zmroku i osiąga szczytową wartość w środku nocy. Substancja czynna leku Hetlioz, tasimelton, działa na te same receptory co melatonina i pobudza sen oraz reguluje rytm snu. Przyjmowanie leku o odpowiedniej porze każdego dnia może pomóc w przywróceniu bardziej regularnego rytmu snu i czuwania.

W przypadku zespołu Smith-Magenis oczekuje się, że lek Hetlioz będzie działał w taki sam sposób, jak w istniejącym zastosowaniu.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku

Firma przedstawiła wyniki badania z udziałem 26 osób dorosłych i dzieci w wieku 3 lat i starszych z zespołem Smith-Magenis, u których występowały zaburzenia snu w porze nocnej. W badaniu porównano działanie leku Hetlioz na zaburzenia snu z placebo (leczeniem pozorowanym) w okresie 4 tygodni. Głównym kryterium oceny skuteczności była poprawa snu w porze nocnej w oparciu o średnią jakość snu i średni całkowity czas snu, oszacowana przez opiekunów za pomocą kwestionariusza po przebudzeniu.

Jakie były główne powody odmowy wprowadzenia zmiany w pozwoleniu na dopuszczenie do obrotu

W czasie pierwszej oceny Agencja uznała, że istnieją zastrzeżenia dotyczące konstrukcji badania, analizy statystycznej wyników i sposobu przeprowadzenia badania, co wywołało wątpliwości dotyczące obserwowanych skutków leczenia.

Dlatego też zdaniem Agencji nie można ustalić korzyści ze stosowania leku Hetlioz w leczeniu zespołu Smith-Magenis i Agencja zaleciła odmowę wprowadzenia zmiany w pozwoleniu na dopuszczenie do obrotu.

Po ponownym przeanalizowaniu dostępnych danych obawy Agencji nie zostały rozwiane, a początkowa odmowa została potwierdzona.

Jakie działania podejmuje się w związku ze stosowaniem leku Hetlioz w leczeniu zespołu nie-24-godzinne rytmu sen-czuwanie

Nie ma żadnych skutków dla stosowania leku Hetlioz w zatwierdzonym wskazaniu w leczeniu zespołu nie-24-godzinne zaburzenia snu i czuwania.